中国生物工程杂志 China Biotechnology,2017,37(7):144-150

DOI:10.13523/j.cb.20170721

行业分析

罕见病药物市场与管理

李 敏[1*] 吴日伟[2]

(1 武汉临空港经济技术开发区食品医药产业建设管理办公室 武汉 430043)
(2 南昌高新技术产业开发区管理委员会 南昌 330096)

摘要 罕见病,又称“孤儿病”,是指发病率极低的疾病,绝大部分属于先天性疾病、慢性病,且常常危及生命。近年来,随着公众认知度的提高、国家政策的支持、诊断及治疗技术的进步,罕见病药物市场逐渐发展起来,销售额逐年增加,出现多个“重磅炸弹”级药物。国际大型药企开始抢占罕见病药物市场并且加紧药物研发,目前正在研发的罕见病药物有500多个,主要针对罕见癌症、遗传性疾病、神经类疾病、传染性疾病和自身免疫性疾病等。发达国家和地区在罕见病管理及市场发展方面都已经比较完善,而中国在这方面还比较落后。对中国罕见病药物市场的发展困境进行了分析并提出了几点建议,希望能够促进国内罕见病药物市场的快速发展。

关键词 罕见病药物 国外罕见病药物市场 罕见病药物管理 国内罕见病药物市场困境

中图分类号 Q819

世界卫生组织(WHO)定义,患病人数/总人口为0.65‰~1‰的疾病称为罕见病。然而事实上罕见病并不罕见,在欧美等发达国家每10人中就有近1人患有罕见病,全球罕见病患者更是高达3.5亿[1],80%都是因为基因遗传[2]。全球罕见病多达8 000余种,如半乳糖血症、成骨不全症、线粒体病、血友病、地中海贫血、苯丙酮尿症、瓷娃娃症、肢端肥大症等。相关数据显示全球罕见病药物销售额一直保持增长,目前三分之一左右的罕见病药物年销售额都超过了10亿美元,预计2020年全球罕见病药物市场会达到1 780亿美元[3]。

1 国外罕见病药物市场

1.1 药物获批情况

美国食品药品监督管理局(FDA)认可的罕见病约有6 000种[4],自从美国罕见病药物法案实施以来FDA已经批准近500个罕见病药物,但目前仍有4 000~5 000种罕见病还没有治疗药物[5]。2011~2013年FDA批准的罕见病药物都在10种以上,2014年达到23种,占比超过50%(图1)。2015年,FDA批准21种罕见病药物[6-7](表1),占比达到47%,其中首次独占性的罕见病新药有8种,儿童罕见病新药有5种、抗肿瘤新药11种,适应证包括高风险分化型甲状腺癌、多发性骨髓癌、儿童神经母细胞瘤、囊性纤维化、磷酸酯酶缺乏等。

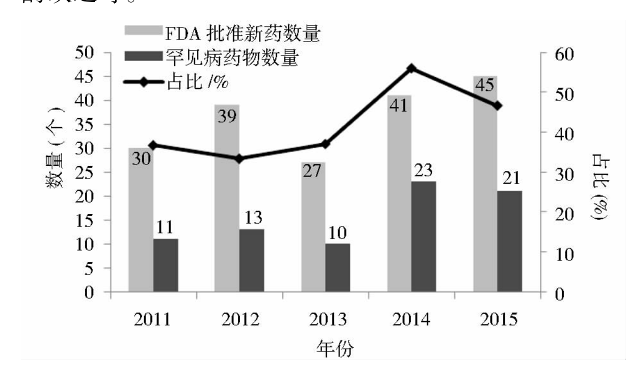


图1 2011~2015年FDA批准的罕见病药物数量

Fig. 1 The approved amount of orphan drugs approved by FDA between 2011 and 2015

Data sources: Official website of FDA

收稿日期:2016-12-14 修回日期:2017-01-16
* 电子信箱:limin20140701@163.com

1.2　药物销售情况

近年来罕见病药物销售情况良好,已成为医药行业盈利最大的板块之一。2015 年年销售额在 40 亿美元以上的罕见病药物有 4 个,其中罗氏的利妥昔单抗注射液销售额最高,达到 75.47 亿美元。销售额在 10 亿~40 亿美元的罕见病药物有 19 个,销售额在 5 亿~10 亿美元的罕见病药物有 2 个(表 2),罗氏、新基、诺华、辉瑞等制药大公司是罕见病药物市场的领头羊[8],年销售额都超过了 50 亿美元。

表 1　2015 年 FDA 批准的 21 种罕见病药物

Table 1　The 21 kinds of orphan drugs approved by FDA in 2015

排名	药品名称	生产企业	作用机制	批准日期	适应证	评审类型
1	Natpara(甲状旁腺素)	NPS	注射激素	2015.1.23	甲状旁腺素功能退化的低钙血症	O, S
2	Lenvima/lenvatinib(乐伐替尼)	卫材	VEGFR 抑制剂	2015.2.13	高风险分化型甲状腺癌	O, P
3	Farydak/panobinostat(柏比司他)	诺华	组蛋白脱乙酰酶抑制剂	2015.2.23	多发性骨髓癌	O, P, A
4	Cresemba/isavuconazonium sulfate(艾莎康唑)	Astellas	唑类抗真菌	2015.3.6	曲霉菌病、毛霉菌病等罕见感染	O, P
5	Unituxin(dinutuximab)	United Therapeutics	GD2 单抗	2015.3.10	儿童神经母细胞瘤	O, P
6	Cholbam/cholic acid(胆酸)	Retrophin	原发性胆酸	2015.3.17	胆汁酸合成障碍/过氧化物酶病	O, P
7	Orkambi/lumacaftor/ivacaftor(复方鲁玛卡托)	Vertex	CFTR 调节剂	2015.7.2	囊性纤维化	O, B, P
8	Evolocumab/repatha	安进	PCSK9 抑制剂	2015.7.21	降低低密度脂蛋白	O, S
9	Xuriden/uridine triacetate	Wellstat Therapeutics	嘧啶类似物	2015.9.4	遗传性乳清酸尿症	O, P
10	Idarucizumab/praxibind	Boehringer	达比加群结合单抗	2015.10.16	逆转达比的作用	O, B, P, A
11	Strensiq/asfotase alfa	Alexion	碱磷酶	2015.10.23	磷酸酯酶缺乏	O, B, P
12	Trabectedin	强生	烷化剂	2015.10.23	脂肪肉瘤和子宫肌瘤	O, P
13	Cotellic(cobimetinib)	罗氏	MEK 抑制剂	2015.11.10	晚期黑色素癌	O, P
14	Tagrisso(osimertinib)	阿斯利康	EGFR 拮抗剂	2012.11.13	EGFR T790M 突变 NSCLC	O, B, P, A
15	Darzalex(daratumumab)	强生	CDC38 单抗	2015.11.16	四线治疗多发性骨髓癌	O, B, P, A
16	Ninlaro(ixazomib)	Takeda	口服蛋白酶抑制剂	2015.11.20	二线治疗多发性骨髓癌	O, P
17	Portrazza(mecitumumab)	礼来	EGFR 拮抗剂	2015.11.24	一线治疗晚期鳞状 NSCLC	O, S
18	Empliciti(elotuzumab)	Abbvie/BMS	SLAMF7 单抗	2015.11.30	二线治疗多发性骨髓癌	O, B, P
19	Kanuma(sebelipase alfa)	Alexion	酶替代疗法	2015.12.8	溶酶体性脂肪酶缺乏	O, B, P
20	Alecensa(alectinib)	罗氏	ALK 抑制剂	2015.12.11	二线治疗 ALK + NSCLC	O, B, P, A
21	Uptravi(selexipag)	Alexion	前列环素受体激动剂	2015.12.22	肺动脉高压	O, S

Note:The list is ranked by approval time, O – rare disease drugs, B – breakthrough drugs, P – priority approval, A – accelerated approval, and S – standard procedures

Data sources: Official website of FDA

1.3　企业并购情况

随着罕见病药物市场的快速发展,各大药企都在加紧布局,全球罕见病药物市场并购交易频繁。2015 年 1 月,英国制药商 Shire 以 52 亿美元的价格收购美国罕见病药物商 NPS 制药,未来公司将把重点转向罕见病药物领域。2015 年 3 月,地平线制药(Horizon Pharma)以 11 亿美元收购 Hyperion Therapeutics,揽获两项治疗遗传紊乱的药物专利。2015 年 4 月,出于对罕见病领域的看好,以色列 Teva 斥资 32 亿美元收购 Auspex。2015 年 4 月,罗氏制药以 4.7 亿欧元收购法

表 2 2015 年罕见病药物全球销售额前 25 位

Table 2 Top25 of global orphan drugs sales in 2015

排名	药品名称	生产企业	销售额(亿美元)	
			2014 年	2015 年
1	Rituxan(利妥昔单抗注射液)	罗氏	73.21	75.47
2	Revlimid(来那度胺胶囊)	新基	58.01	49.80
3	Gleevec(甲硫酸伊马替尼片)	诺华	46.58	47.46
4	Copaxone(醋酸格拉替雷注射液)	梯瓦	38.89	42.37
5	Avonex(干扰素 β-1a 注射液)	百健	26.30	30.13
6	Alimta(注射用培美曲塞二钠)	礼来	24.93	27.92
7	Rebif(重组人干扰素 β-1a 注射液)	默沙东	20.00	24.44
8	Advate(注射用重组人凝血因子 VIII)	Baxalta	21.07	23.48
9	Soliris(依库珠单抗静脉注射液)	亚力兄	26.17	22.34
10	Sandostatin(注射用醋酸奥曲肽)	诺华	16.30	16.50
11	NovoSeven/NovoSeven RT(注射用重组人凝血因子 VIIa)	诺和诺德	14.97	16.29
12	Velcade(注射用硼替佐米)	强生	13.33	16.18
13	Afinitor(依维莫司片)	诺华	16.07	15.75
14	Tracleer(波生坦片)	Actelion	12.46	15.51
15	Tasigna(尼洛替尼胶囊)	诺华	16.32	15.29
16	Kogenate(注射用重组人凝血因子 VIII)	拜耳	12.93	14.73
17	Sprysel(达沙替尼片)	百时美施贵宝	16.20	14.39
18	Velcade(注射用硼替佐米)	武田	11.73	13.96
19	Yervoy(伊匹木单抗注射液)	百时美施贵宝	11.26	13.08
20	Sutent(苹果酸舒尼替尼胶囊)	辉瑞	11.20	11.74
21	Norditropin Simplex(重组人生长激素注射液)	诺和诺德	11.63	11.59
22	Sensipa(西那卡塞片)	安进	14.15	11.58
23	Nexavar(甲苯硫磺索拉菲尼片)	拜耳	9.72	10.27
24	Xyrem(羟基丁酸钠)	Jazz 制药	9.73	7.79
25	Pomalyst(泊马度胺胶囊)	新基药业	9.83	6.08

Data sources: EvaluatePharma

国 Trophos,罗氏表示将会进一步展开对罕见病药物脊髓性肌萎缩症 Olesoxime 的研发工作。2015 年 4 月,新基(Celgence)以 7.1 亿美元收购爱尔兰制药公司 Norgra 的 GED-0301,该药用于治疗中度至重度克罗恩病。2015 年 5 月,Shire 斥资 2.6 亿美元收购美国 Lumena 制药,由此 Shire 获得了 2 种罕见病药物,丰富了 Shire 公司的罕见病产品种类。2015 年 7 月,美国 Baxter 公司收购罕见病药物企业 AesRx LLC,得到镰刀型细胞贫血症(SCD)新药 Aes-103 的所有权。2015 年 8 月,罗氏制药以 83 亿美元收购了美国生物科技公司 InterMune,获得其治疗特发性肺纤维化的新药吡非尼酮(pirfenidone)。2015 年 11 月,Shire 公司以 59 亿美元的价格收购罕见病药物研发者 Dyax 公司,Shire 获得了 Dyax 公司治疗罕见病遗传性血管性水肿(HAE)的药物资产。

1.4 药物研发情况

由于罕见病药物能够带来巨大的市场收益,近年来许多制药公司新药开发的关注点逐渐从常见药物转移到罕见疾病药物。目前全球处于研发阶段的罕见病药物有 566 种,其中包括罕见癌症药物 151 个、罕见血液瘤药物 82 个、基因遗传性疾病药物 148 个、神经紊乱药物 38 个,一大批罕见病药物已经进入 III 期临床阶段(表 3)。

表 3　2016 年部分处于 III 期临床的罕见病药物

Table 3　Part of the phase III orphan drugs in 2016

	药物名称	公司	FDA 适应证		药物名称	公司	FDA 适应证
1	Actemra tocilizumab	Genentech	系统硬化症	32	Ixmyelocel-T	Vericel	扩张型心肌病
2	Translarna ataluren	PTC Therapeutics	囊性纤维化	33	Alicaforsen	Atlantic Healthcare	结肠袋炎
3	BYM3389 (bimagrumab)	Novartis	包涵体肌炎	34	Fostamatinib disodium	Rigel	免疫性血小板减少性紫癜
4	地夫可特	Marathon	幼年特发性关节炎	35	Olaratumab	Eli Lilly	软组织肉瘤
5	Momelotinib	Gilead	骨髓纤维化	36	Humira	AbbVie	儿童溃疡性结肠炎
6	芬戈莫德	Novartis	慢性炎性脱髓鞘多神经病	37	QPI-1007	Quark	缺血性视神经病变
7	Hyqvia	Baxter	慢性炎性脱髓鞘多神经病	38	阿普特斯	Celgene	白塞病
8	Mepolizumab	Glaxo SmithKline	变应性肉芽肿性血管炎	39	Acamprosate	Confluence	X 染色体易损综合征
9	Thymosin beta 4	ReGenTree	神经营养性角膜病变	40	大麻二酚	GW Pharma	婴儿严重肌阵挛性癫痫
10	Rituximab	Genentech	寻常性天胞疮	41	JZP-110 苯丙氨酸衍生物	Jazz	发作性嗜睡病
11	SA237	Chugai	视神经脊髓炎	42	Luspatercept	Acceleron	B 型地中海贫血
12	Eculizumab	Alexion	重症肌无力	43	Pegvaliase	BioMarin	高苯丙氨酸血症
13	ALX-0081	Ablynx	血栓性血小板减少性紫癜	44	VX-661	Vertex	囊性纤维化
14	E5501	Eisai	特发性血小板减少性紫癜	45	TV-1106	Teva	生长激素缺乏症
15	Ruxolitinib	Incyte	血小板增多	46	AB103	Atox Bio	坏死软组织感染
16	Aldoxorubicin	CytRx	软组织肉瘤/胰腺癌	47	Delamanid	Otsuka	肺结核
17	NGF-hTNF	MolMed	恶性胸膜间皮癌	48	Binimetinib	Array	IIB-IV 期黑色素瘤
18	Tafenoquine	Glaxo SmithKline	疟疾	49	Tirasemtiv	Cytokinetic	肌萎缩性脊髓侧索硬化症
19	Ramucirumab	Eli Lilly	肝细胞瘤	50	ARD-3150	Aradigm	支气管扩张
20	Farletuzumab	Eisai	卵巢癌	51	COR-003	Stonebridge	内源性库兴氏症
21	Glufosfomide	Eleison	胰腺癌	52	LCI699	Novartis	Cushing 病
22	GS-5745	Gilead	胃癌	53	Revusiran	Alnylam	淀粉样病变
23	ICT-107	Immuno Cellular	胶质瘤或脑胶质瘤	54	ELAD	Vital Therapies	肝衰竭
24	Keytruda	Merck	胃癌,包括胃食管连接	55	BMN701	BioMarin	庞贝氏症
25	乐伐替尼	Eisai	肝细胞瘤	56	Deflazacort	Marathon	杜氏肌营养不良
26	Multikine	CEL-SCI	鳞状头颈细胞癌	57	Reparixin	Dompe	移植术后胰岛细胞缺乏
27	Niraparib	TESARO	卵巢癌	58	RG6013	Chugai	A 型血友病
28	Esuberaprost	Lung Biotechnology	肺动脉高压	59	MST188	Mast Therapeutics	镰刀型红细胞疾病
29	AG-221	Agios	急性骨髓性白血病	60	ZX-008	Zogenix	Dravet 综合征
30	Epratuzumab	Immunomedics	急性淋巴性白血病	61	Debio8206	Debiopharm	中枢性性早熟
31	Keytruda	Merck	多发性骨髓癌	62	Nifurtimox	Bayer	查加斯病

Data sources: Pharmacodia

除了制药公司关注罕见病药物研发外,美国政府也在罕见病药物开发上给予了大量的资金支持,2016 年 FDA 拨款 2300 万美元,赞助 21 种罕见病治疗方法的研究(表 4),支持科研界和企业界的罕见病新药开发。

表 4 2016 FDA 赞助的罕见病名录及项目费

Table 4 Orphan drugs list and project fund sponsored by FDA

	疾病	费用/美元		疾病	费用/美元
1	肌萎缩性侧索硬化(ALS)	1 年/24.3 万	12	丙酮酸脱氢酶复合物缺乏症	4 年/200 万
2	抗中性粒细胞胞质抗体相关性小血管炎	1 年/50 万	13	预防绝经后妇女骨质疏松症骨流失	4 年/约 160 万
3	胶质母细胞瘤	4 年/200 万	14	儿童脑瘤	3 年/75 万
4	真菌病瘙痒症	4 年/约 200 万	15	肝细胞癌	3 年/75 万
5	囊性纤维化	3 年/75 万	16	多耐药 HIV 感染	1 年/50 万
6	多发性骨髓瘤	4 年/约 170 万	17	急性塑性支气管炎	4 年/200 万
7	肺鸟结核分枝杆菌病	4 年/约 180 万	18	早产儿肺支气管发育不良	4 年/约 140 万
8	先天性肌营养不良	1 年/24.6 万	19	多系统萎缩	4 年/160 万
9	大疱性表皮松解	1 年/50 万	20	腺病毒疾病	3 年/75 万
10	预防移植物抗宿主病	1 年/9.9 万	21	颈椎脊髓损伤(医疗器械类)	4 年/约 200 万
11	神经母细胞瘤	3 年/75 万			

Data sources: Official website of FDA

1.5 管理情况

截至目前,全球有 30 多个国家在政策制度方面对罕见病治疗和药物研发予以保障和支持,美国最先关注罕见病治疗的制度建设。1983 年美国建立了国家罕见病组织(NORD),国会批准通过了《罕见病用药法》[9],规定罕见病药物可快速审批,享有 7 年市场独占期,此外还有税金减免、专项补助及研究基金等方面的支持(表 5),此法案的通过对于全球罕见病的管理具有重大意义。欧盟、日本、澳大利亚、韩国等也有针对罕见病药物管理的政策,基本上都是以美国孤儿药法案为蓝本而建立的,通过加快药物审批、保障药品市场独占期、税金减免等支持罕见病药物的研发[10]。

表 5 各国对罕见病及药物研发的扶持政策

Table 5 Support policies for the development of orphan drugs

	美国	欧盟	日本	澳大利亚	韩国	中国
专项法律	《罕见病用药法》(1983)	ENC 141/2000 规则(2000)	《罕见病用药管理制度》(1993)	《罕见病用药方针》(1998)	《罕见病用药指导》(2003)	无
药品市场独占期(年)	7	10	10	5	6	无
税金减免	有(占临床研究费用的 50%)	鼓励各国成员给予税收优惠	有(药物开发总费用的6% +不超过公司税的 10%)	无	无	无
医疗保障制度	政府医疗保健计划、商业保险	27 个成员国政策不一	国家健康保险(NHI)药物价格优惠 10%	救生药品基金计划(LSDP)	医保报销 2/3	被纳入医保范围的比例及报销额度有限
药物审批	纳入优先审批	集中审批,优先审批	10 个月内快速审批		6 ~ 9 个月快速审批	提出优先评审,但无明确制度

2　国内罕见病药物市场发展困境及建议

2.1　困　境

与国外罕见病药物市场快速发展相比,国内市场发展缓慢,多重原因严重制约了市场发展。首先,国内缺乏罕见病药物相关的法律制度。与发达国家具有完善的罕见病管理制度相比,我国在罕见病的政策、法律、制度方面是一片空白(表5),仅在1999年的《药品注册管理办法》中提及了罕见病的概念,2009年发布的《关于印发新药注册特殊审批管理规定的通知》中提出了罕见病药物可实行特殊审批,但没涉及具体措施。与美国、欧盟、日本的立法和监管环境相比,我国在罕见病药品监管及研发方面的政策处于严重滞后状态[11]。其次,无罕见病相应管理组织,社会关注力度不够。与美国建立国家罕见病组织(NORD)及欧盟建立欧洲罕见病药物产品委员会(COMP)不同,我国并无针对罕见病的专门管理机构。且由于罕见病发病率低,通常伴有不常见症状,公众对罕见病缺乏了解[12]。再次,国内无自主研发罕见病药物,且缺乏相应医疗保障。我国市场上销售的153种治疗罕见病的药物均来自进口[13]。国内鲜有药企涉及罕见病药物研发,罕见病患者只能选择昂贵的进口药或者干脆无药可用[14]。同时国内仅有57种罕见病药物被纳入医保范围,可全额报销的只有10种,罕见病缺乏相应医疗保障,患者经济负担巨大。

2.2　建　议

针对国内罕见病药物市场发展存在的困难,必须采取有效的解决措施。第一,完善罕见病立法等相应管理制度,形成完备的罕见病药物市场准入激励机制及医疗保障体制,为罕见病药物市场管理、药物研发等提供法律保障。第二,成立专门的罕见病管理组织,开展罕见病病谱调查。由专门管理组织促进罕见病药物立法和管理,对罕见病患者进行病谱调查[15],建立罕见病患者数据库,为特殊医疗保障制度的设立奠定基础。第三,加强罕见病新药研发。加大罕见病药物研发投入,成立罕见病专门的医学科研基金,实施罕见病药物特殊审批渠道,给予药物一定的市场独占期及税务优惠,促进罕见病新药的研发。

3　结　语

近年来,随着研究的深入,我国对罕见病的重视程度也在逐渐提高,罕见病患者的生存现状已开始引起我国社会各界的关注[16]。2016年1月,国家卫计委办公厅决定组建"罕见病诊疗与保障专家委员会",促进罕见病规范化诊疗,保障罕见病用药基本需求;2016年2月,中国食品药品监督管理总局发布《关于解决药品注册申请积压实行优先审评审批的意见》,将罕见病列入优先审批行列;2016年3月,国务院办公厅出台《关于促进医药产业健康发展的指导意见》,指出在罕见病领域重点仿制市场潜力大、临床急需的国外专利到期药品。2016年9月,我国罕见病发展中心(CORD)在第五届中国罕见病高峰论坛上发布《中国罕见病参考名录》,一共147种疾病被列入其中,为罕见病药物的研发指明了方向。希望在多方努力下国内罕见病药物市场能够快速发展起来,为广大罕见病患者带来福音。

参考文献

[1] 田圆圆, 张象麟, 董江萍. 欧美孤儿药的研究与开发现状. 中国新药杂志, 2012, 21(8): 844-850.
Tian Y Y, Zhang X L, Dong J P. Current situation of orphan drug research and development in the Europe and America. Chinese Journal of New Drugs, 2012, 21(8): 844-850.

[2] Food and Drug A dministration (FDA). Rare Diseases Take Spotlight in Annual Event. [2014-04-09]. http://www.fda.gov/ForConsumers/ConsumerUpdates/ucm244408.htm.

[3] EvaluatePharma. 2015年孤儿药研发分析报告(Ⅰ). 药学进展, 2016, 40(1):62-68.
EvaluatePharma. Orphan Drug Report 2015 (Ⅰ). Progress in Pharmaceutical Science, 2016, 40(1):62-68.

[4] Brewer G J, Mich A. Drug development for orphan diseases in the context of personalized medicine. Trans Res, 2009, 154(6): 314-322.

[5] Sharma A, Jacob A, Tandon M, et al. Orphan drug: development trends and strategies. Pharm Bioallied Sci, 2010, 2(4): 290-299.

[6] 汤立达. 2015年FDA批准的新药. 现代药物与临床, 2016, 31(2): 265-268.
Tang L D. New drugs approved by FDA in 2015. Drugs & Clinic, 2016, 31(2): 265-268.

[7] 陈玲, 刘艳红, 邹栩, 等. 2015年全球重要治疗领域新药研究的最新进展. 中国新药杂志, 2016, 25(6): 601-638.
Chen L, Liu Y H, Zhou X, et al. Overview of the latest progress of global new drug research in 2015. Chinese Journal of New Drugs, 2016, 25(6): 601-638.

[8] EvaluatePharma. 2015年孤儿药研发分析报告(Ⅱ). 药学进展, 2016, 40(2):145-155.
EvaluatePharma. Orphan Drug Report 2015 (Ⅱ). Progress in

Pharmaceutical Science, 2016, 40(2):145-155.
[9] 孙赛男，董江萍. 国外孤儿药现状分析及对我国的启示. 中国医药工业杂志, 2015, 46(10): 1146-1150.
Sun S N, Dong J P. The orphan drug status analysis of overseas and its inspirations to China. Chinese Journal of Pharmaceuticals, 2015, 46(10): 1146-1150.
[10] 谷景亮，鲁艳芹，钟彩霞，等. 国外罕见病药物政策发展现状对比分析. 卫生软科学, 2013, 27(7): 393-396.
Gu J L, Lu Y Q, Zhong C X, et al. Comparative analysis to rare disease pharmaceutical policy development status in foreign countries. Soft Science of Health, 2013, 27(7): 393-396.
[11] 赵赢，刘艾林，杜冠华. 中国与美国罕见病药物政策对比分析. 中国新药杂志, 2016,25(1):3 1-49.
Zhao Y, Liu 'ai L, Du G H. Comparative analysis of rare disease pharmaceutical policies of China and America. Chinese Journal of New Drugs, 2016, 25(1): 31-49.
[12] 彪巍，肖永康，陈任，等. 我国罕见病患者社会支持研究. 医学与社会, 2012, 25(10): 53-55.
Biao W, Xiao Y K, Chen R, et al. Study on social support of rare disease sufferers in China. Medicine and Society, 2012, 25(10): 53-55.
[13] 吴方，周迎波，崔茉莉. 国际环境下的我国孤儿药产业发展策略研究. 中国医药工业杂志, 2015, 46(4): 428-434.
Wu F, Zhou Y B, Cui M L. Research of orphan drugs industry development strategy of China under The International Environment. Chinese Journal of Pharmaceuticals, 2015, 46(4): 428-434.
[14] 陈淼，冯文化. 国内外孤儿药研发现状. 中国新药杂志, 2014,23(7):764-768.
Chen M, Feng W H. Current situation of international and national research of orphan drug. Chinese Journal of New Drugs 2014, 23(7):764-768.
[15] 韩金祥，崔亚洲，周小艳. 罕见疾病研究现状及展望. 罕少疾病杂志, 2011, 18(1): 1-6.
Han J X, Cui Y Z, Zhou X Y. Current status and prospect of the research on rare diseases. Journal of Rare and Uncommon Diseases, 2011, 18(1): 1-6.
[16] 田苗，田红，解学星，等. 罕见病用药现状分析. 现代药物与临床, 2014, 29(7): 701-707.
Tian M, Tian H, Jie X X, et al. The development of orphan drugs. Drugs & Clinic, 2014, 29(7): 701-707.

Orphan Drugs Market and Management

LI Min[1] WU Ri-wei[2]
(1 Food and Pharmaceutical Industry Construction Management Office, Wuhan Airport Economic and Technological Development Zone ,Wuhan 430043, China)
(2 Nanchang National High – Tech Industrial Development, Nanchang 330096, China)

Abstract Rare diseases, also known as "orphan diseases", refer to the diseases which have a very low morbidity. Most of orphan diseases are congenital disease or chronic disease, and they are often dangerous. With the improvement of public awareness, support of national policy and development of diagnosis and treatment technology, orphan drugs market has gradually developed. Sales of the orphan drugs increased year by year and several "heavy bombs" have arisen. The international pharmaceutical companies began to seize the orphan drugs market and intensified drug development. The number of orphan drugs under research and development is more than 500, which are mainly for rare cancer, hereditary diseases, neurological diseases, infectious diseases and autoimmune diseases. Developed countries and regions have mature management system and market of orphan drugs, but China is still relatively backward in this regard. The dilemmas of domestic orphan drugs market is analyzed and some suggestions for these dilemmas are puted for ward, hoping to promote the development of the domestic orphan drugs market.

Key words Orphan drug Orphan drugs market in abroad Management of orphan drugs The dilemma of domestic orphan drugs market